



REGIONE AUTONOMA DELLA SARDEGNA

ASSESSORATO DELL'IGIENE E SANITA' E DELL'ASSISTENZA SOCIALE

Direzione Generale della Sanita'

Servizio Assistenza Distrettuale, Ospedaliera, Farmaceutica e Osservatorio Epidemiologico Regionale

Regione Autonoma della Sardegna
Direzione Generale della Sanita'
Prot. Uscita del 14/07/2008
nr 0015449
Classifica XV 8 7



Ai Direttori Generali delle Aziende Sanitarie Locali
della Regione

Ai Direttori Generali dell'Azienda Ospedaliera Brotzu
e delle Aziende Ospedaliere Universitarie di Cagliari
e di Sassari

Ai Rappresentanti Regionali dei Sindacati dei Medici
Dipendenti

Ai Rappresentanti Regionali dei Sindacati dei Medici
di Medicina Generale e dei Pediatri di Libera Scelta

Al Tribunale per i diritti del Malato

LORO SEDI

Oggetto Adempimenti in capo ai Centri di Riferimento Regionali per Patologia (CRP) e ai Centri Assistenziali (CA) delle Rete Regionale delle malattie rare in materia d'esenzione dalla partecipazione al costo delle prestazioni e assistenza farmaceutica, in attuazione della DGR n° 26/15 del 6/5/2008

La Deliberazione della Giunta Regionale n° 26/15 del 6/5/2008, ha ridefinito la rete regionale delle malattie rare in coerenza con la normativa nazionale sulla materia e con gli obiettivi del Piano Regionale dei Servizi Sanitari 2006-2008, finalizzati a potenziare la risposta assistenziale ed a migliorare la qualità della vita delle persone affette da patologie rare

In particolare con la citata DGR, adottata a conclusione di un'intensa attività di studio e di ricognizione dell'esistente, con il supporto del Comitato Tecnico Scientifico appositamente istituito con Decreto Assessoriale n° 15 del 17 luglio 2006, è stata riorganizzata la Rete Regionale delle malattie rare caratterizzata da tre tipologie di Centri Regionali denominati Centri di Riferimento per Patologia (CRP), Centri Assistenziali (CA) e Centri Correlati (CR), ai quali sono state riconosciute specifiche competenze di seguito indicate

1) Centri di Riferimento Regionale per Patologia (CRP), con funzioni di

- presa in carico del paziente e rilascio certificati d'esenzione,
- alimentazione del registro ,
- definizione e promozione di protocolli clinici e diagnostici condivisi,
- prevenzione e sorveglianza,
- promozione dell'informazione al cittadino,
- attività di supporto e formazione degli operatori sanitari,
- collaborazione con Associazioni di pazienti e di volontariato,

2) Centri Assistenziali (CA), con funzioni di

- presa in carico del paziente e rilascio certificati d'esenzione,
- alimentazione del registro,
- promozione dell'informazione al cittadino,
- attività di supporto e formazione degli operatori sanitari (territorio) in collaborazione con il centro regionale di riferimento per patologia ,
- adozione dei protocolli clinici e diagnostici condivisi,
- collaborazione con servizi territoriali e medici di medicina generale e pediatri di libera scelta

3) Centri Correlati (CC), con funzioni di

- ausilio diagnostico specialistico,
- diagnosi e *follow-up* complicanze,
- consulenza genetica,
- assistenza psico-sociale

Al riguardo preme rammentare che la DGR n 26/15 ha individuato, come criterio generale, un unico Centro Regionale per Patologia (CRP) per ciascun codice di malattia, tenendo conto dell'attività clinica e scientifica, della dotazione strumentale e di personale. Per le patologie dell'età adulta e pediatrica sono stati, invece, individuati due Centri Regionali per Patologia. In un numero limitato di casi, a parità di casistica e dei criteri sopra menzionati, si è convenuto di individuare più unità operative per patologia, nell'ambito dello stesso CRP, in questi casi, i responsabili delle unità operative devono garantire uniformità e coordinamento nello svolgimento delle funzioni proprie del CRP. Si ricorda, inoltre, che la stessa deliberazione, per le patologie molto rare rispetto alle quali non è stata riscontrata alcuna casistica, ha stabilito che la presa in carico dell'assistito per gli aspetti diagnostici e clinici deve essere assicurata dalla Presidio Ospedaliero per le Microcitemie dell'Azienda Sanitaria Locale n. 8 di Cagliari, Clinica Pediatrica, quale Centro di Riferimento Regionale, avvalendosi dei Centri Correlati per le loro specifiche competenze.

In attuazione di quanto previsto dalla DGR 26/15 si specificano di seguito gli adempimenti in capo ai Centri di Riferimento Regionali per Patologia (CRP) e ai Centri Assistenziali (CA) delle Rete Regionale delle malattie rare in materia d'esenzione dalla partecipazione al costo delle prestazioni e assistenza farmaceutica, così come previsto dal DM 279/2001. Preme sottolineare che tutti gli adempimenti di seguito elencati, rappresentano gli elementi costitutivi, seppure non esaustivi, del processo di presa in carico che deve essere assicurato da ciascun centro della rete (CRR, CRP o CA) nei confronti degli assistiti affetti da malattia rara, sia nelle prime fasi di diagnosi e di definizione del piano terapeutico, sia nelle successive fasi correlate alla eventuale progressione della malattia nelle quali è necessario adeguare i piani assistenziali ai

bisogni sanitari e sociali dell'assistito. Il centro, dunque, promuove l'orientamento dell'assistito nel sistema regionale e/o nazionale dei servizi sanitari e lo supporta nelle scelte assistenziali, mantenendo il coordinamento dell'intero processo di cura.

1 Diagnosi della malattia e riconoscimento del diritto all'esenzione

Gli articoli 5, 6 e 7 del DM 279/2001 stabiliscono le procedure e le modalità per garantire l'accertamento della diagnosi di malattia rara, per il conseguente riconoscimento del diritto all'esenzione dalla partecipazione al costo delle relative prestazioni, per la prescrizione e l'erogazione delle stesse.

I Centri della Rete devono erogare in regime d'esenzione dalla partecipazione al costo le prestazioni finalizzate alla diagnosi di malattia rara. Per quelle d'origine ereditaria, le indagini necessarie ai fini diagnostici sono estese gratuitamente anche ai familiari. I relativi oneri sono a totale carico dell'ASL di residenza dell'assistito con sospetto diagnostico di malattia rara.

1.1 Certificato attestante la diagnosi della malattia rara ai fini del riconoscimento d'esenzione

Lo specialista del CRP o del CA certifica la diagnosi di malattia rara che configura il diritto del paziente all'esenzione dalla partecipazione alle spese, secondo lo schema di cui all'allegato A) al presente provvedimento, specificando, ai fini dell'esenzione, oltre alla definizione della malattia anche il codice identificativo della stessa o del gruppo di malattie a cui essa afferisce, come definito nell'allegato 1 al DM n. 279/2001 e successive modificazioni.

- **Prestazioni erogabili in esenzione**

Il CRP o CA, che rilascia il certificato di diagnosi di malattia rara, dovrà riportare nello schema di cui all'allegato A, oltre alla definizione della malattia come specificato nel punto precedente, anche l'elenco delle prestazioni correlate alla patologia rara a cui il paziente ha diritto all'esenzione dalla compartecipazione al costo, utilizzando a tal fine i protocolli diagnostico-terapeutici definiti dai Centri Regionali di Riferimento per Patologia sulla base dei criteri stabiliti dal Centro Regionale di Riferimento. In mancanza di protocolli, le prestazioni erogabili in esenzione dovranno essere individuate dallo specialista utilizzando criteri d'efficacia e d'appropriatezza rispetto alle condizioni cliniche del paziente.

- **Attestato d'esenzione**

L'attestato d'esenzione deve essere rilasciato dalla ASL di residenza dell'assistito che dovrà esibire il certificato di diagnosi di malattia rara rilasciato dai Centri abilitati della Rete. L'attestato dovrà avere le stesse caratteristiche previste per le malattie croniche ed invalidanti, con l'aggiunta del codice di malattia rara, indicando gli estremi del DM 279/01 e la validità sarà illimitata. L'attestato d'esenzione, congiuntamente alla certificazione di diagnosi di malattia rara, dovrà essere esibito dall'assistito in occasione degli accessi alle prestazioni diagnostiche e terapeutiche. L'assistito riconosciuto esente ha diritto alle prestazioni d'assistenza sanitaria incluse nei livelli essenziali d'assistenza, efficaci ed appropriate per il trattamento ed il monitoraggio della malattia dalla quale è affetto e per la prevenzione degli ulteriori aggravamenti.

- **Modalità di prescrizione**

Una volta diagnosticata e certificata la patologia, l'assistito può accedere all'erogazione delle prestazioni prescritte in regime d'esenzione in tutte le strutture pubbliche e private accreditate, la prescrizione è effettuata sul ricettario SSN, indicando il codice della patologia rara della quale è affetto il paziente unicamente in forma codificata dal DM 279/01 e successive modificazioni

Fermi restando i limiti di prescrivibilità previsti dalla vigente normativa, ciascuna ricetta non può contestualmente recare la prescrizione di prestazioni erogabili in regime d'esenzione dalla partecipazione al costo e di altre prestazioni non esenti

- **Adempimenti obbligatori previsti dall'art 50 della L 326/03**

Ciascuna ASL è tenuta al caricamento degli attestati di esenzione nel sistema Tessera Sanitaria

- **Rispetto della normativa sulla Privacy**

La ASL che rilascia l'attestato di esenzione dovrà acquisire, ai sensi della Legge n. 675 del 31/12/1996 e successive modificazioni, il consenso scritto al trattamento dei dati da parte di soggetti erogatori di prestazioni, pubblici, convenzionati o accreditati dal SSN, con riguardo alla prescrizione ed erogazione delle prestazioni sanitarie in regime di esenzione. Il trattamento dei dati dovrà avvenire secondo quanto previsto nella normativa vigente in materia di protezione dei dati personali

2 Assistenza farmaceutica

2.1 Modalità di rilascio delle prescrizioni farmaceutiche

Le terapie farmacologiche prescritte ai pazienti affetti da malattie rare devono essere previste dai protocolli clinici definiti dai CRP sulla base dei criteri stabiliti dal Centro di Riferimento Regionale per le Malattie Rare. In carenza di tali protocolli, i farmaci erogabili devono essere individuati secondo criteri di efficacia e appropriatezza rispetto alle condizioni cliniche del paziente correlate alla malattia rara. A tale scopo, lo specialista del CRP o del CA predispone il piano terapeutico per la prescrizione dei farmaci attraverso la compilazione della scheda riportata nell'allegato B. Copia di detta scheda dovrà essere fatta pervenire anche al medico curante dell'assistito (Medico di Medicina Generale o Pediatra di Libera Scelta) ed al servizio farmaceutico dell'ASL di residenza dello stesso.

2.2 Medicinali erogabili gratuitamente

In coerenza con il quadro normativo nazionale (art. 6, 3° comma del DM 279/01, DPCM 29/11/2001 sui Livelli Essenziali di Assistenza e successive modificazioni) coordinato con le norme specifiche in materia di assistenza farmaceutica, ai pazienti affetti da malattie rare, possono essere forniti gratuitamente

1. i farmaci di classe A ricompresi nel Prontuario Terapeutico Nazionale,
2. i farmaci di classe H, registrati sul territorio nazionale e ricompresi nel Prontuario Terapeutico Nazionale,

- 3 I farmaci inseriti nell'elenco predisposto dalla CUF (attualmente AIFA) ai sensi della L. 648/96 seguita dal provvedimento CUF 20 luglio 2000 ed aggiornato periodicamente dall'AIFA, erogabili a totale carico del SSN qualora non esistano valide alternative terapeutiche, in particolare
- I medicinali innovativi la cui commercializzazione è autorizzata in altri stati ma non sul territorio nazionale,
 - I medicinali non ancora autorizzati ma sottoposti a sperimentazione clinica di cui siano già disponibili studi clinici di fase seconda,
- 4 I farmaci non registrati in Italia ma registrati all'estero per la patologia trattata, previsti dai protocolli clinici definiti dai Centri Regionali di Riferimento per Patologia sulla base dei criteri definiti dal Centro Regionale di Riferimento,
- 5 I farmaci Orfani approvati a livello centrale ed attualmente disponibili in Italia, ricompresi nell'apposito elenco predisposto dal Ministero della Salute, la prescrizione e somministrazione di tali farmaci è riservata ai pazienti affetti dalle patologie riportate nell'elenco stesso e può essere effettuata dai centri abilitati alla prescrizione e somministrazione dei farmaci orfani e dai centri abilitati all'accesso al registro nazionale dei farmaci orfani,
- 6 I farmaci di classe C previsti dai protocolli clinici definiti dai CRP e rigorosamente correlati alla patologia rara

2.3 Modalità operative per la prescrizione ed erogazione con oneri a carico del SSN dei medicinali *off label* ai sensi dell'art. 1, comma 796, lettera z della L. 296/06

Nel rispetto della normativa nazionale, possono essere forniti i farmaci registrati in Italia, da utilizzare per indicazioni terapeutiche diverse da quelle autorizzate (*off label*) e impiegare nei casi per i quali non esiste valida alternativa terapeutica. Queste prescrizioni devono essere effettuate in coerenza con quanto previsto dall'art. 1, comma 796, lettera z, della L. 296/06 (legge finanziaria 2007) che prevede, in particolari casi, la possibilità di ricorrere all'art. 3, comma 2 della L. n. 94/98 anche con oneri a carico del SSN.

La disposizione normativa recata dall'art. 1, comma 796, lettera z, della Finanziaria 2007, a completa garanzia del diritto alla salute dei cittadini, non preclude in modo categorico l'impiego dei medicinali per indicazioni non autorizzate ma persegue l'obiettivo di prevenire l'abuso di farmaci fuori dalle indicazioni terapeutiche a rischio della salute del cittadino, evitando l'utilizzo indiscriminato di medicinali senza l'adeguata verifica delle indicazioni terapeutiche da parte delle Agenzie Regolatorie.

Al riguardo, anche la Circolare del Ministero della Salute del 12/02/07 ribadisce che l'utilizzo di terapie farmacologiche, al di fuori delle condizioni di autorizzazione all'immissione in commercio, non deve rappresentare carattere diffuso e sistematico. La succitata Legge Finanziaria 2007 individua il Direttore Sanitario Aziendale come responsabile del rispetto della norma, anche sotto il profilo della responsabilità per danno erariale.

- **Prescrizione di medicinali *off label***

Lo specialista del CRP o del CA dovrà presentare richiesta secondo la modulistica definita dal servizio farmaceutico della ASL di competenza riportante

- 1 la dichiarazione di assunzione di responsabilità,
- 2 la dichiarazione di mancanza di valida alternativa terapeutica, di insostituibilità ed indispensabilità per l'efficacia del trattamento,
- 3 la dichiarazione di aver acquisito il consenso informato del paziente

In allegato deve essere presentata la rassegna della letteratura scientifica che documenti l'uso consolidato del farmaco conformemente a linee guida o lavori apparsi su pubblicazioni accreditate in campo internazionale. La richiesta dovrà essere inviata al Responsabile della farmacia ospedaliera di appartenenza, al Responsabile del servizio farmaceutico territoriale della ASL nel caso di pazienti assistiti da parte di Centri di Riferimento della Rete di altre regioni. Il responsabile della farmacia ospedaliera o quello del servizio farmaceutico aziendale verificherà la sussistenza di tutti i requisiti sopra descritti e, quindi, provvederà alla fornitura del farmaco richiesto.

• **Autorizzazione**

L'autorizzazione o meno al trattamento con farmaci *off label* deve essere rilasciata dal Direttore Sanitario dell'Azienda o da un suo delegato. La Direzione Sanitaria Aziendale, nell'espletamento di tali adempimenti può avvalere della consulenza della Commissione per il Prontuario Terapeutico Provinciale.

2.4 Acquisto del farmaco e relativa fornitura

L'acquisto e la consegna del farmaco è effettuata dalla Farmacia Ospedaliera per i pazienti assistiti in regime di ricovero ordinario o in day Hospital, dal servizio farmaceutico territoriale per coloro che eseguono il trattamento a livello domiciliare.

La fornitura dei farmaci potrà avvenire

- 1 tramite il Centro della Rete nei casi in cui l'assistito accede al CRP o al CA per effettuare controlli clinici e/o specialistici. La struttura erogatrice è tenuta a chiedere il rimborso del farmaco all'ASL di residenza del paziente utilizzando il tracciato record "file F",
- 2 tramite la ASL di residenza del paziente per la fornitura, secondo le normative nazionali e/o regionali previste, di farmaci necessari al trattamento dei pazienti inseriti nei programmi di assistenza domiciliare, di farmaci di classe H, di farmaci non registrati in Italia, di farmaci inseriti nell'elenco AIFA istituito ai sensi della Legge n° 648/96 e di farmaci di classe "C". Alla ASL di residenza dovrà pervenire la prescrizione del Centro della Rete secondo le modalità riportate nell'allegato B,
- 3 tramite le farmacie aperte al pubblico nel caso dei farmaci di classe A, per le terapie da assumere a domicilio al di fuori di programmi di assistenza domiciliare.

3 Raccordo con altre strutture, operatori ed associazioni dei malati

I Centri della Rete devono garantire il collegamento funzionale con gli altri servizi sanitari operanti del territorio e con i medici di Medicina Generale e Pediatri di Libera Scelta al fine di promuovere la continuità.

assistenziale del malato. I Centri della Rete devono, inoltre, collaborare con le associazioni dei malati e con le strutture socio-assistenziali territoriali al fine assicurare all'assistito un adeguato supporto psicologico e sociale.

Si precisa, infine, che per le patologie molto rare rispetto alle quali non è stata riscontrata alcuna casistica, la presa in carico dell'assistito per gli aspetti diagnostici e clinici deve essere assicurata dal Presidio Ospedaliero per le Microcitemie dell'Azienda Sanitaria Locale n. 8 di Cagliari, Clinica Pediatrica, quale Centro di Riferimento Regionale, che si farà carico anche degli adempimenti in materia di certificazione della malattia e delle condizioni di esenzione dalla partecipazione al costo delle prestazioni e assistenza farmaceutica.

4 Registro malattie rare

I CRP e i CA devono provvedere, ai sensi della normativa vigente, ad alimentare il Registro Regionale informatizzato delle malattie rare attraverso l'inserimento dei dati relativi alla malattia e all'assistito. L'inserimento dei dati anagrafici e clinici, l'aggiornamento e la convalida degli stessi, costituiscono requisiti indispensabili per la manutenzione operativa del sistema delineato con la DGR n. 26/15 del 6/5/2008 e per la valutazione dell'efficacia dei processi assistenziali.

Con successivi provvedimenti saranno definiti da parte della Regione gli elementi informativi del registro e le specifiche tecniche ed organizzative del flusso, nonché il programma formativo per consentire il corretto utilizzo del sistema da parte di tutti i referenti.

Nelle more dell'attivazione del registro informatizzato i responsabili dei Centri devono tenere copia della documentazione della diagnosi e il trattamento delle malattie rare.

Il Direttore del Servizio

Dr. Giuseppe Sechi



MAP/ 3 2 *MAP*

MM/ 3 3

